

INFORME SOBRE ENSAYOS CLÍNICOS EN ENFERMEDADES RARAS EN ESPAÑA

Análisis de los datos sobre ensayos clínicos en el ámbito de las enfermedades raras autorizados en España en el período comprendido entre el 1 de enero de 2016 y el 31 de diciembre de 2020.

Datos obtenidos a través del Registro Español de Estudios Clínicos de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), analizados por la Asociación Española de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU).

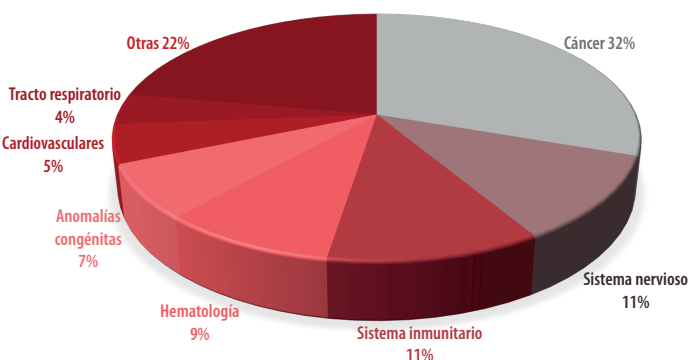


- Existen más de **6.000 Enfermedades Raras** (EE.RR.) diferentes en el mundo y solo un 5% dispone de herramienta diagnóstica o tratamiento.
- Los **ensayos clínicos** son mecanismos de investigación que se utilizan para determinar la seguridad y la eficacia de los medicamentos.
- En el ámbito de las EE.RR., resultan especialmente costosos porque existe un **número más reducido de pacientes, una mayor dispersión geográfica y menor especialización en los centros sanitarios**.
- La **pandemia** ha supuesto una **dificultad añadida** para la investigación, debido a las restricciones de movilidad y la especial vulnerabilidad de los pacientes con EE.RR.
- La investigación en este campo es una **necesidad urgente**.
- Cada vez existe un mayor compromiso por parte de los pacientes,** los investigadores, la industria y toda la sociedad para avanzar en el estudio y el tratamiento de las EE.RR.

ESPAÑA ALCANZÓ UN MÁXIMO HISTÓRICO DE ENSAYOS CLÍNICOS EN ENFERMEDADES RARAS EN EL AÑO 2020

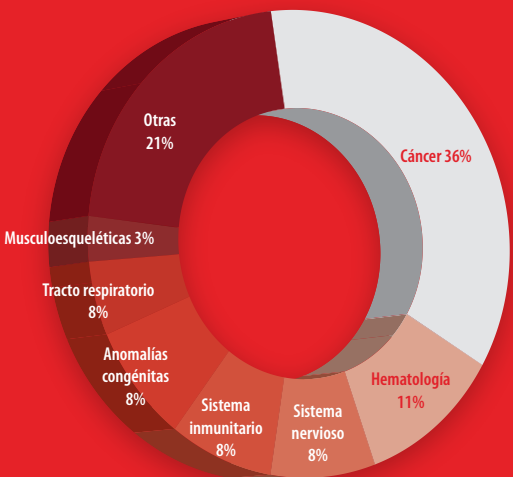
- En 2020 se autorizaron en España **1.018 ensayos clínicos** en los que participaron más de **80.000 pacientes**.
- Esto supone un **incremento del 23%** en el número de ensayos y del 87% en el número de pacientes con respecto a 2019.
- En el ámbito de la EE.RR. España alcanzó un máximo histórico de **194 ensayos** (5.5% más que en 2019), en los que participaron **3.191 pacientes**.

ENSAYOS CLÍNICOS EN EE.RR.
POR ÁREA TERAPÉUTICA 2020



2 DE CADA 10 ENSAYOS CLÍNICOS REALIZADOS EN LOS ÚLTIMOS 5 AÑOS EN NUESTRO PAÍS, INVESTIGARON ENFERMEDADES MINORITARIAS

ENSAYOS CLÍNICOS EN EE.RR. POR ÁREA
TERAPÉUTICA 2016-2020



En el periodo comprendido entre 2016 y 2020, se realizaron en España:

- 4.216 ensayos clínicos**, en los que han participado 264.577 pacientes.
- En el ámbito de las EE.RR. **827 ensayos, un 20% del total**, en los que han participado más de 16.253 pacientes, el 6% del total.